

《化学合成寡核苷酸药物（创新药）药学研究技术指导原则（征求意见稿）》起草说明

一、起草目的

化学合成寡核苷酸药物是指通过化学合成方法制备的具有特定序列和功能的短链核酸药物，是近年来备受关注的研发领域，但 ICH 等国际通用技术指南并未完全将其纳入适用范围。为进一步推动寡核苷酸药物行业的发展，助力该类药物的开发与评价，药审中心组织起草了《化学合成寡核苷酸药物（创新药）药学研究技术指导原则（征求意见稿）》。

二、起草过程

（一）起草前期调研论证情况

自立项以来，起草小组调研了国内外相关文献、监管情况、已上市品种信息等，与业界专家进行了多次沟通和学术交流。在此基础上结合科学监管理念，化药药学一部组织起草了《化学合成寡核苷酸药物（创新药）药学研究技术指导原则》初稿。

（二）指导原则制定或修订情况

本指导原则已列入药审中心 2025 年度指导原则制修订计划。2025 年 2 月筹备拟定初稿，2025 年 7 月 30 日经化药药学一部部门技术委员会讨论，进行了修订和完善。2025 年 8 月 22 日组织召开专家咨询会，邀请中国食品药品检定研究院、行业专家和业界代表等对指导原则初稿进行充分的讨论

和交流，依据会议共识形成征求意见稿。

三、起草思路

本指导原则主要根据化学合成寡核苷酸药物（创新药）特点，重点阐述了原料药的物料控制、生产工艺、特性鉴定、质量研究与控制、对照品、稳定性，制剂产品开发、生产工艺、质量研究与控制、稳定性，以及药学可比性研究等药学研究的技术要求，为化学合成寡核苷酸药物（创新药）的研发提供技术指导。

本指导原则基于当前科学认知撰写，遵循 ICH 一般原则。随着科学研究的进展，本指导原则中的相关内容将不断修订完善。

四、主要内容

本指导原则主要分为六个部分，分别为概述、总体考虑、处方及生产工艺、质量研究与质量控制、稳定性和参考文献。

第一部分简要介绍化学合成寡核苷酸药物的定义和特点、起草目的、适用范围。

第二部分概括了药学开发的核心关注点，为化学合成寡核苷酸药物开发提供了基本研发思路。

第三部分从原料药的物料控制、生产工艺、特性鉴定、质量研究与控制、对照品、稳定性等方面详细介绍了药学开发的考虑要点。

第四部分从制剂产品开发、生产工艺、质量研究与控制、

稳定性等方面详细介绍了药学开发的考虑要点。

第五部分阐述了药学可比性研究的核心关注点。

第六部分列出了本指导原则主要参考的国内外指南及相关文献等。

五、需要说明的问题

无。